

## Le terapie avanzate come diritto sociale condizionato ai vincoli di bilancio: considerazioni fra diritto costituzionale e bioetica

Francesca Aurora Sacchi\*

ADVANCED THERAPIES AS A SOCIAL RIGHT LIMITED BY BUDGET CONSTRAINTS: REFLECTIONS BETWEEN CONSTITUTIONAL LAW AND BIOETHICS

ABSTRACT: This contribution analyzes the legal and bioethical challenges posed by advanced therapy medicinal products (ATMPs), technologies with high potential but significant cost. The article explores the tension between the right to health (Art. 32 of the Italian Constitution) and economic sustainability (Art. 81), assessing whether access to therapeutic innovation can be considered a constitutionally guaranteed right. It also introduces bioethical reflections on resource allocation in conditions of scarcity, questioning the legitimacy of exclusions based on cost. The aim is to clarify the enforceability boundaries of access to ATMPs as a social right and the balancing mechanisms within the public health system.

KEYWORDS: right to health; advanced therapies; economic sustainability; bioethics; Constitutional balancing

ABSTRACT: Il contributo analizza le sfide giuridiche e bioetiche poste dalle terapie avanzate (ATMPs), tecnologie ad alto potenziale ma elevato costo. L'articolo esamina la tensione tra diritto alla salute (art. 32 Cost.) e sostenibilità economica (art. 81 Cost.), valutando se l'accesso all'innovazione terapeutica possa considerarsi un diritto costituzionalmente garantito. Il contributo introduce infine considerazioni di bioetica relative all'allocazione delle risorse in contesti di scarsità, e si interroga sulla legittimità di esclusioni basate sul costo. L'obiettivo è chiarire i confini di esigibilità dell'accesso alle terapie avanzate quale diritto sociale e i meccanismi di bilanciamento nel sistema sanitario pubblico.

PAROLE CHIAVE: diritto alla salute; terapie avanzate; sostenibilità economica; bioetica; bilanciamento costituzionale

SOMMARIO: 1. Introduzione – 2. Il contenuto del diritto alla salute – 3. L'evoluzione dell'art. 81 Cost. e l'introduzione del pareggio di bilancio in Costituzione – 4. I diritti sociali come diritti condizionati ex art. 81 – 5. Il caso delle terapie avanzate – 6. Considerazioni di bioetica – 7. Conclusioni.

\* *Membro del consiglio direttivo SIIAM - società italiana intelligenza artificiale in medicina. Mail: [francesca.aurora.sacchi@gmail.com](mailto:francesca.aurora.sacchi@gmail.com). Contributo Sottoposto a doppio referaggio anonimo.*

## 1. Introduzione

Il progresso scientifico è divenuto ormai inarrestabile, e, con esso, l'innovazione tecnologica in campo sanitario. Le terapie avanzate (ATMPs) rappresentano infatti una tecnologia piuttosto recente<sup>1</sup>, che in futuro sarà sempre più utilizzata per la cura di malattie rare e comuni, trasformando radicalmente la vita dei pazienti<sup>2</sup>. Tuttavia, proprio per la loro complessità e per alcune caratteristiche proprie e specifiche di questi farmaci, tali terapie faticano a risultare economicamente sostenibili per i sistemi sanitari mondiali, entrando con enormi difficoltà all'interno dei mercati nazionali e, in alcuni casi, fuoriuscendovi perché non profittevoli per le aziende produttrici, e causando quindi un grave danno ai pazienti che si vedono negare la loro unica possibilità di cura (si veda, per esempio, il caso Strimvelis, discusso qui in seguito).

Il presente contributo si concentra, dunque, sul delineare il contesto in cui il legislatore si trova ad operare e la giurisprudenza costituzionale più recente. In particolare, è dato ampio spazio al contenuto dell'art. 32 Cost, analizzando se possa essere inteso anche come volto a costituire un diritto all'accesso alle innovazioni tecnologiche e sanitarie, e alle sue implicazioni soprattutto in rapporto con l'art. 3 Cost., e il ruolo fondamentale del diritto alla salute per lo sviluppo della persona. In seguito, l'articolo esamina fino a dove tale diritto alla salute sia estendibile, o fino a che punto comprimibile, tenendo presente la riforma del 2012 e la nuova formulazione dell'art. 81 Cost., oltre che i più consolidati o recenti orientamenti giurisprudenziali in tema di diritti sociali e vincoli di bilancio. Il contributo approfondisce altresì le questioni bioetiche connesse all'allocatione delle risorse sanitarie in condizioni di scarsità, soffermandosi in particolare sulla legittimità di criteri decisionali fondati esclusivamente sul costo delle cure. L'obiettivo è dunque quello di fornire gli elementi fondamentali a comprendere i meccanismi di bilanciamento fra diritti sociali e vincoli di bilancio in contesti di scarsità di risorse, per poter valutare se i diritti di accesso ad innovazioni tecnologiche mediche, quali le terapie avanzate, possano dirsi costituzionalmente garantiti ai cittadini, o fino a che punto tali diritti di accesso siano esigibili, specie in periodi di crisi per lo Stato.

## 2. Il contenuto del diritto alla salute

L'impianto del nostro Sistema Sanitario Nazionale deriva, innanzitutto, dalla legge n.833/78<sup>3</sup>. Con questa legge, infatti, il riferimento principale per la sanità in Italia diventò l'art. 32 della Costituzione, e non più il 38, creando quindi un sistema improntato sui principi di universalità, globalità, equità, e superando la precedente frammentazione dell'impianto mutualistico<sup>4</sup>. Tale articolo, infatti, protegge la salute come

<sup>1</sup> La prima terapia genica applicata con successo a un essere umano risale al 1990, quando William French Anderson trattò una bambina affetta da SCID, immunodeficienza combinata grave.

<sup>2</sup> Alliance for Regenerative Medicine (ARM), *2020: Growth & Resilience in Regenerative Medicine*, disponibile online, <https://alliancerm.org/sector-report/2020-annual-report/>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>3</sup> Legge 23 dicembre 1978, n. 833, *Istituzione del servizio sanitario nazionale*.

<sup>4</sup> Le Società Operaie di Mutuo Soccorso, riconosciute come enti privi di fini di lucro dalla legge 15 aprile 1886, n. 3818, e successivamente sottoposte a una più incisiva vigilanza statale durante il periodo fascista, perseguivano finalità di interesse generale esclusivamente mediante l'erogazione di prestazioni assistenziali e socio-sanitarie a beneficio dei soli soci e dei loro familiari conviventi, senza estendere tali prerogative all'universalità dei cittadini. Sul punto: G. RULLI, *L'istituzione del Servizio Sanitario Nazionale e la sua eredità*, in G. RULLI, A. SALENTO (a cura di), *Problemi organizzativi e prospettive del Sistema Sanitario in Italia*, Bologna, 2023, 11.



«diritto fondamentale dell'individuo» e come «interesse della collettività», riconoscendola dunque sia come tradizionale diritto di libertà, sia come diritto sociale di prestazione. La salute si configura quindi come un «valore primario» dell'ordinamento costituzionale, espressione di una pluralità di situazioni giuridiche soggettive riconducibili, da un lato, alla dimensione della libertà negativa, intesa come libertà da interferenze, ad esempio nei casi di trattamenti sanitari obbligatori, e, dall'altro, alla libertà positiva, ossia alla facoltà di autodeterminarsi nelle scelte terapeutiche, come avviene nella libertà di cura.

Sulla base della ricostruzione operata dalla Corte costituzionale con la sentenza n. 455/1990, la dottrina ha ricostruito il diritto alla salute come fattispecie complessa, individuando tre principali direzioni nella tutela accordata dal legislatore al diritto alla Salute:

- Il dovere di tutti di non mettere a rischio il bene della salute altrui;
- Il dovere della Repubblica di vigilare affinché il diritto alla salute non sia compromesso;
- Il profilo oggettivo di tutela riferito alla salute come interesse della collettività<sup>5</sup>.

Ad oggi, inoltre, il diritto alla salute non viene più inteso, come un tempo, in una prospettiva ristretta, limitata cioè alla tutela dell'integrità fisica e al trattamento delle malattie, ma deve invece essere interpretato in una dimensione ampliata che ricomprende un insieme di diritti connessi, come il diritto di accesso all'innovazione terapeutica, e strumenti di tutela più ampi<sup>6</sup>. Va tuttavia precisato che, con riguardo alla libertà di scelta della prestazione sanitaria, comprensiva della possibilità di selezionare il medico,<sup>7</sup> la struttura erogatrice (pubblica o privata), il luogo di cura sul territorio nazionale o all'estero, nonché la tipologia di trattamento, la giurisprudenza prevalente riconosce come tale libertà sia inevitabilmente subordinata all'assetto organizzativo del sistema sanitario e ai margini di discrezionalità politica del legislatore, i quali si esercitano in funzione delle risorse finanziarie disponibili<sup>8</sup>. In questo quadro, occorre tuttavia ricordare che il Servizio sanitario nazionale si configura come un sistema universalistico: ciò comporta che il cittadino vanti una pretesa al finanziamento pubblico delle prestazioni che rientrano quantomeno nel nucleo fondamentale, rappresentato dai livelli essenziali di assistenza (LEA), una volta che questi siano definiti dal legislatore.

Questo vincolo emerge in maniera particolarmente evidente nel caso delle terapie avanzate, tra i farmaci più costosi attualmente disponibili, spesso destinati a pazienti affetti da malattie rare e sviluppati su base personalizzata a partire dal materiale genetico del singolo individuo. In tale contesto si configura un rilevante dilemma giuridico ed etico, ossia se sia legittimo limitare l'accesso a una terapia potenzialmente salvavita sulla base di motivazioni di tipo economico, oppure se un investimento così ingente sia da considerarsi sempre prioritario, considerando però che le risorse impiegate in tali trattamenti vengono inevitabilmente sottratte ad altri settori assistenziali, che avrebbero, presumibilmente, una platea di utenti più ampia a parità di costo. Inoltre, tali considerazioni acquistano ancora maggior peso in un contesto di scarsità di risorse, o qualora i vincoli finanziari siano ancora più stringenti; si veda, ad esempio, la sentenza n. 190 del 2022 della Corte costituzionale, qui discussa in seguito, che, affrontando un caso in cui la Regione

<sup>5</sup> D. MORANA, *La salute come diritto costituzionale*, Torino, 2015.

<sup>6</sup> F. ANASTASI, *La tutela della salute e le esigenze della concorrenza: un difficile bilanciamento per i farmaci innovativi*, in *Amministrazione in Cammino*, 2017.

<sup>7</sup> Per esempio Corte costituzionale, sent. n. 175/1982, nella quale il diritto di libera scelta del medico viene ritenuto tutela nei «limiti oggettivi dell'organizzazione dei servizi sanitari».

<sup>8</sup> F. MINNI, A. MORRONE, *Il diritto alla salute nella giurisprudenza della Corte costituzionale italiana*, in *Associazione Italiana dei Costituzionalisti (AIC)*, 3, 2013.

Sicilia aveva esteso la rimborsabilità della terapia genica “Zolgensma” a pazienti con peso superiore ai limiti stabiliti dall’AIFA, ha posto in evidenza il conflitto tra tutela del diritto alla salute (art. 32 Cost.) e dovere di rispettare i vincoli di sostenibilità della finanza pubblica, richiamando il bilanciamento necessario tra esigenze cliniche e parametri di economicità e appropriatezza. Accanto all’interesse costituzionalmente tutelato del malato raro alla cura, dunque, è necessario ricordare altre esigenze dello Stato meritevoli di tutela, come quella di assicurare l’equilibrio tra le entrate e le spese del proprio bilancio, tenendo conto delle fasi avverse e delle fasi favorevoli del ciclo economico (art. 81 Cost.)<sup>9</sup>.

### 3. L’evoluzione dell’art. 81 Cost. e l’introduzione del pareggio di bilancio in Costituzione

Lo Stato dispone di un margine decisionale limitato nella gestione delle risorse<sup>10</sup> spesso influenzato da obblighi sovranazionali<sup>11</sup>, specialmente in ambito di diritti e tutela sociale<sup>12</sup>. Infatti, nella versione antecedente alla riforma del 2012<sup>13</sup>, l’articolo 81 della Costituzione non conteneva un obbligo esplicito di pareggio di bilancio, consentendo così una maggiore flessibilità interpretativa<sup>14</sup>. La riforma costituzionale prevista dalla legge costituzionale 1/2012<sup>15</sup> modificò quindi gli articoli 81, 97, 117 e 119 della Costituzione (superando, tra l’altro, il *quorum* necessario ad evitare il referendum popolare confermativo), e introducendo di conseguenza il principio di equilibrio di bilancio in Costituzione e abrogando, invece, il divieto di stabilire nuove spese o tributi tramite la legge di bilancio. Tali modifiche si resero necessarie per dare attuazione al processo di progressiva cessione della sovranità in materia di bilancio dalle istituzioni nazionali a quelle europee<sup>16</sup>. Tale processo aveva fino ad allora prodotto una duplice e parallela dinamica decisionale: da un lato, un indirizzo politico ispirato ai principi dello Stato sociale democratico sanciti dalla Costituzione; dall’altro, una linea conforme agli obiettivi di stabilità finanziaria e competitività economica perseguiti dai Trattati dell’Unione Europea<sup>17</sup>.

L’introduzione del principio dell’equilibrio di bilancio in Costituzione ha dunque trasferito sul piano interno la questione del bilanciamento tra disciplina finanziaria e tutela dei diritti sociali, imponendo una

<sup>9</sup> A. ANTONELLI, *L’introduzione del “pareggio” di bilancio nella Costituzione: nuove prospettive per la governance della finanza pubblica*, in *federalismi*, 2016.

<sup>10</sup> C. DE FIORES, *Corte, legislatore e indirizzo politico*, in V. TONDI DELLA MURA, M. CARDUCCI, R. G. RODIO (a cura di), *Corte costituzionale e processi di decisione politica*, Torino, 2005, 194 ss.

<sup>11</sup> Per esempio, legge 31 dicembre 2009, n. 196, come modificata dalla Legge n. 39/2011, *sul coordinamento della finanza pubblica e strumenti di programmazione: DEF, NADEF, legge di bilancio e collegati*.

<sup>12</sup> G. RIZZONI, *Il semestre europeo, fra sovranità di bilancio e autovincoli costituzionali: Germania, Francia e Italia a confronto*, in *Rivista AIC*, 4, 2011.

<sup>13</sup> «Le camere approvano ogni anno i bilanci ed il rendiconto consuntivo presentati dal governo. L’esercizio provvisorio del bilancio non può essere concesso se non per legge e per periodi non superiori complessivamente a quattro mesi. Con la legge di approvazione del bilancio non si possono stabilire nuovi tributi e nuove spese. Ogni altra legge che importi nuove o maggiori spese deve indicare i mezzi per farvi fronte.»

<sup>14</sup> I. CIOLLI, *I diritti sociali al tempo della crisi economica*, in *Costituzionalismo.it*, 2012.

<sup>15</sup> Legge costituzionale 20 aprile 2012, n. 1, *Introduzione del principio del pareggio di bilancio nella Carta costituzionale*, in *Gazzetta Ufficiale*, n. 95 del 23 aprile 2012; Legge 24 dicembre 2012, n. 243, in *Gazzetta Ufficiale*, n. 12 del 15 gennaio 2013.

<sup>16</sup> G. LO CONTE, *Equilibrio di bilancio, vincoli sovranazionali e riforma costituzionale*, Torino, 2015; A. GIOVANNELLI, *Vincoli europei e decisione di bilancio*, in *Quaderni Costituzionali*, 4, 2013.

<sup>17</sup> G. RIVOCSECHI, *L’indirizzo politico finanziario tra Costituzione italiana e vincoli europei*, Padova, 2007.

revisione sostanziale dell'equilibrio tra le due dimensioni. Ciò ha determinato un impatto significativo sull'assetto della forma di Stato, che si trova oggi chiamata a operare un contemperamento più stringente e formalizzato tra le esigenze di rigore economico e la salvaguardia dei diritti fondamentali.

La Costituzione italiana si fonda, tuttavia, su un modello di sviluppo economico e sociale imperniato sull'art. 3, il quale, accanto al principio di uguaglianza formale tipico dello Stato liberale, introduce un impegno attivo dello Stato volto alla rimozione degli ostacoli che impediscono l'eguaglianza sostanziale. In tal modo, l'eguaglianza acquista una dimensione concretamente esigibile, segnando il passaggio verso una configurazione dello Stato a marcata vocazione sociale<sup>18</sup>. Per tale motivo, il comma 2 dell'art. 3 Cost. affida alla Repubblica il compito di intervenire per rimuovere gli ostacoli di ordine economico e sociale, affinché tutti i cittadini siano posti inizialmente su un piano di sostanziale parità e godano di determinate utilità sociali (quali l'istruzione, la salute, il lavoro), della possibilità di dare pieno sviluppo alla propria persona e di partecipare alla gestione del Paese<sup>19</sup>. Tale impostazione concepisce quindi lo sviluppo della personalità umana e la rimozione delle disuguaglianze non come fini statici, bensì come un processo dinamico e in divenire, nel quale ogni traguardo conseguito rappresenta un punto di partenza per ulteriori progressi, in un continuo superamento dei limiti precedentemente definiti<sup>20</sup>.

D'altra parte, è opportuno ricordare, inoltre, che la stabilità di bilancio mira a tutelare anche i diritti delle future generazioni e, più in generale, quelli delle fasce più vulnerabili della popolazione, le quali rischierebbero di subire conseguenze ben più gravi rispetto ad altri in caso di crisi della tenuta del sistema<sup>21</sup>. Non sarebbe quindi possibile appellarsi al secondo comma dell'art. 3 della Costituzione e ignorare l'art. 81, promuovendo una concezione dei diritti priva di limiti e di considerazioni legate ai costi degli stessi; assicurare tali diritti, infatti, comporta sempre oneri finanziari e l'assegnazione di risorse necessariamente sottratte ad altre categorie della popolazione, che generano debito pubblico e relativi interessi e gravano negativamente sulle generazioni future. Quest'ultime sono, tra l'altro, protette costituzionalmente dall'art. 9 a partire dal 2022<sup>22</sup>, sebbene il riconoscimento costituzionale dell'equità intergenerazionale fosse già oggetto di dibattito in occasione della riforma del 2012<sup>23</sup>. Posto dunque che la tutela dei diritti sociali comporta una serie di oneri, o per le finanze pubbliche, o per le generazioni future<sup>24</sup>, l'inserimento del principio di equilibrio di bilancio in Costituzione serve a chiarire questi costi e a definire chi debba sostenerli, promuovendo un equilibrio più responsabile tra diritti e risorse<sup>25</sup>.

A livello europeo, i vincoli di bilancio imposti a livello sovranazionale sono stati criticati per lungo tempo dalla dottrina per aver progressivamente esercitato una pressione tale da comprimere la funzione

<sup>18</sup> F. CLEMENTI, L. CUOCOLO, F. ROSA, G. E. VIGEVANI, *Art. 3 in La Costituzione italiana. Commento articolo per articolo*, I, Bologna, 2021, 33.

<sup>19</sup> A. GIORGIS, *La costituzionalizzazione dei diritti all'uguaglianza sostanziale*, Napoli, 1999.

<sup>20</sup> I. CIOLLI, *Le ragioni dei diritti e il pareggio di bilancio*, Roma, 2012.

<sup>21</sup> S. CECCANTI, *Una sentenza che lascia due seri motivi di perplessità*, in *Federalismi.it*, 10, 2015.

<sup>22</sup> Legge costituzionale 11 febbraio 2022, 1

<sup>23</sup> M. BELLOCCI, M. FULGENZI, R. NEVOLA, *La revisione costituzionale degli artt. 41 e 81 Cost.: disegni di legge, lavori parlamentari e documentazione di approfondimento. Riferimenti di diritto comparato*, [https://www.cortecostituzionale.it/documenti/convegni\\_seminari/La\\_revisione\\_costituzionale\\_artt\\_41\\_81.pdf](https://www.cortecostituzionale.it/documenti/convegni_seminari/La_revisione_costituzionale_artt_41_81.pdf) (ultima consultazione 16 maggio 2025).

<sup>24</sup> S. HOLMES, C.R. SUNSTEIN, *Il costo dei diritti. Perché la libertà dipende dalle tasse*, Bologna, 2000.

<sup>25</sup> N. LUPO, *Costituzione europea, pareggio di bilancio ed equità tra le generazioni. Notazioni sparse*, in *Amministrazione in Cammino*, 2011.

redistributiva e di tutela sociale che i diritti sociali dovrebbero garantire<sup>26</sup>; la mancanza di una solidarietà fiscale e di strumenti di compensazione adeguati, tipici di un sistema federale, avrebbe infatti ampliato gli squilibri economico-sociali tra Stati membri, riducendo la capacità concreta degli ordinamenti nazionali di assicurare la piena effettività di tali diritti. Più recentemente, tali vincoli, pur rimanendo rigorosi, hanno iniziato a essere accompagnati da meccanismi di flessibilità e programmazione di medio-lungo termine, che consentono margini di manovra anche in periodi di instabilità economica, con l'obiettivo di favorire politiche fiscali anticicliche compatibili con la sostenibilità di bilancio<sup>27</sup>. Inoltre, con l'entrata in vigore nel 2024 del nuovo Patto di stabilità e crescita, è diventato ancora più necessario potenziare la capacità di pianificazione e programmazione del Paese al fine di tradurre in azioni concrete le risorse destinate a investimenti sociali come la sanità. Tale programmazione efficace e integrata è infatti cruciale per rispettare i vincoli di bilancio europei senza compromettere l'effettività delle politiche sociali, ed evitare che i diritti fondamentali siano sacrificati sull'altare del rigore finanziario<sup>28</sup>.

#### 4. I diritti sociali come diritti condizionati ex art. 81

I diritti sociali sono i diritti più costosi, perché dipendono, oltretutto dall'organizzazione e dall'efficienza dell'apparato amministrativo, dalle risorse finanziarie che vi sono destinate; questi assorbono infatti gran parte della spesa pubblica (circa il 45% è destinato alle pensioni, il 18% alla sanità ed il 10% all'istruzione)<sup>29</sup>. Per questo motivo, la dottrina considera i diritti sociali come risorse giuridicamente scarse, cioè a godimento limitato, in quanto condizionato dalla disponibilità di risorse economicamente scarse<sup>30</sup>.

L'articolo 32 della Costituzione riconosce esplicitamente il diritto alla salute come fondamentale, sottolineandone il ruolo essenziale quale base per l'esercizio pieno e libero di ogni altra libertà. Parallelamente, sancisce l'interesse collettivo alla tutela della salute come bene comune. Questo diritto si configura quindi come un diritto soggettivo primario, assoluto, esigibile *erga omnes* e perfettamente applicabile anche nei rapporti tra privati<sup>31</sup>. Al pari di ogni diritto costituzionalmente protetto, però, anch'esso andrà bilanciato con altri interessi di pari rango, che ne limitano le potenzialità di esplicazione.

In passato, la Corte riteneva di non dover assumersi la responsabilità delle implicazioni finanziarie derivanti dalle proprie decisioni, lasciando agli organi politici il compito di reperire le risorse necessarie per garantire i costi associati ai diritti (le cosiddette sentenze "sfonda-bilancio")<sup>32</sup>. In linea con lo spirito di quell'epoca, la Corte ha spesso esteso la platea dei destinatari di benefici e provvidenze economiche,

<sup>26</sup> A. GUAZZAROTTI, *Il conflitto sociale tra diritti fondamentali e ri-materializzazione della Costituzione*, in *Costituzionalismo.it*, 1, 2024.

<sup>27</sup> M. LUCIANI, *L'antisovrano e la crisi delle Costituzioni*, in *Scritti in onore di Giuseppe Guarino*, II, Padova, 1998, 731 ss; L. BARTOLUCCI, *La nuova governance economica europea tra "metodo PNRR" e costituzionalismo numerico di bilancio*, in *Luiss School of Government Policy Brief*, 02, 2025.

<sup>28</sup> N. LUPO, *Gli adeguamenti dell'ordinamento costituzionale italiano conseguenti al nuovo patto di stabilità e crescita. Prime riflessioni*, in *Diritto & Conti*, 1, 2024, 170 ss.

<sup>29</sup> EUROSTAT, *General government expenditure by function (COFOG)*, 2022.

<sup>30</sup> M. LUCIANI, *Diritti sociali e livelli essenziali delle prestazioni pubbliche nei sessant'anni della corte costituzionale*, in *AIC*, 3/2016.

<sup>31</sup> Cass. Sez. Un., sentenza n. 796 del 1973

<sup>32</sup> A. ABBATE, *Il bilancio dello stato e le sentenze onerose della giurisprudenza della corte costituzionale*, in *Ratioluris*, 2021.



facendo leva sul principio di eguaglianza e ricorrendo all'individuazione di un *tertium comparationis*<sup>33</sup>. Successivamente, però, e soprattutto a partire dalla sentenza n. 421 del 1995<sup>34</sup>, la Corte ha adottato un approccio più prudente, considerando la sostenibilità economica delle tutele costituzionali e riconoscendo che l'effettiva realizzazione dei diritti sociali è condizionata dalle risorse finanziarie disponibili<sup>35</sup>, e, più, recentemente, anche con l'esplicito fine di salvaguardare tali diritti per le generazioni future<sup>36</sup>. Infatti, la Corte iniziò a esprimersi stabilendo che «quest'ultima dimensione del diritto alla salute, comporta che, al pari di ogni diritto a prestazioni positive, il diritto a ottenere trattamenti sanitari, essendo basato su norme costituzionali di carattere programmatico impositive di un determinato fine da raggiungere, è garantito a ogni persona come un diritto costituzionale condizionato dall'attuazione che il legislatore ordinario ne dà attraverso il bilanciamento dell'interesse tutelato da quel diritto con gli altri interessi costituzionalmente protetti, tenuto conto dei limiti oggettivi che lo stesso legislatore incontra nella sua opera di attuazione in relazione alle risorse organizzative e finanziarie di cui dispone al momento»<sup>37</sup>. Il giudice costituzionale iniziò quindi ad accogliere la tesi della gradualità dei diritti in tema di bilanciamento dei diritti in caso di risorse scarse<sup>38</sup>, ritenendo, di conseguenza, opportuna una gradualità nell'erogazione del diritto stesso. Successivamente, si è poi assistito a un'evoluzione nella giurisprudenza costituzionale, che ha iniziato a fare riferimento all'esistenza di un possibile «nucleo irrinunciabile del diritto», «protetto dalla Costituzione come ambito inviolabile della dignità umana»<sup>39</sup>. Dal momento che l'articolo 32, nel suo aspetto positivo, sancisce il diritto dell'individuo ad accedere a prestazioni sanitarie, era chiarito come fosse compito del legislatore stabilire nel dettaglio l'effettiva portata di tale diritto alle cure gratuite, definendo i criteri soggettivi e oggettivi, nonché le modalità, le procedure e le forme attraverso cui esso si realizza. Tuttavia, tale definizione doveva avvenire nel rispetto del vincolo che vieta una limitazione irragionevole della parte essenziale e inderogabile del diritto alla salute. Proprio per questo motivo, la Corte ha sovente ricorso, da ben prima della riforma del 2012, a formule come quelle dei diritti finanziariamente condizionati<sup>40</sup>, al principio di gradualità delle riforme onerose<sup>41</sup>, alla limitatezza delle risorse disponibili<sup>42</sup>, ai diritti

<sup>33</sup> A. CAROSI, *Prestazioni sociali e vincoli di bilancio, Incontro di studio trilaterale Italia–Spagna–Portogallo*, 7 ottobre 2016.

<sup>34</sup> Con questa decisione la Corte, anziché estendere la norma di favore, ne rivolse la declaratoria di incostituzionalità. Si veda, sul punto: A. CAROSI, *op. cit.*, 2016.

<sup>35</sup> Sul punto, le sentenze Cort. cost. 52/2021, 9/2021, 203/2016, 354/2008, 3; 432/2005, 509/2000, 309/1999, 304/1994, 455/1990; § 11.5).

<sup>36</sup> Questo è un orientamento più recente, che ben traspare in Corte cost. 5 dicembre 2019, n. 18, punto 6 del considerato in diritto: «L'equità intergenerazionale comporta, altresì, la necessità di non gravare in modo sproporzionato sulle opportunità di crescita delle generazioni future, garantendo loro risorse sufficienti per un equilibrato sviluppo.».

<sup>37</sup> Corte cost., sentenza n. 455 del 1990, punto 3 del considerato in diritto.

<sup>38</sup> M. MIDIRI, *Diritti sociali e vincoli di bilancio nella giurisprudenza costituzionale*, in *Studi in onore di F. Modugno*, Napoli, 2011.

<sup>39</sup> Corte cost., 7 luglio 1999, n. 309.

<sup>40</sup> F. MERUSI, *I servizi pubblici negli anni '80*, in AA. VV., *Servizi pubblici instabili*, Bologna, 1990, 30-31; Corte cost., 16 ottobre 1990, n. 455.

<sup>41</sup> Corte cost., nn. 356/1992; 243/1993; 240/1994; 99/1995; 205/1995; 218/1995; 416/1996; 125/1998; 30/2004.

<sup>42</sup> V. CAIANIELLO, *Corte costituzionale e finanza pubblica*, in *Giurisprudenza italiana*, 1984, IV, 284; C. PINELLI, *Diritti costituzionalmente condizionati, argomento delle risorse disponibili, principio di equilibrio finanziario*, in AA. VV., *La motivazione delle decisioni della Corte costituzionale*, a cura di A. RUGGERI, Torino, 1994; F. POLITI, *Il "costo" delle*

sociali condizionati<sup>43</sup> oppure all'(auto)attribuzione del potere di modulazione degli effetti temporali delle proprie decisioni<sup>44</sup>: è quindi palese il continuo sforzo dei giudici costituzionali di bilanciare la tutela dei diritti onerosi con le esigenze finanziarie per non gravare ulteriormente con le loro decisioni i conti dello Stato. Anzi, storicamente la stessa Corte «ha ripetutamente affermato che nel bilanciamento dei valori costituzionali che il legislatore deve compiere al fine di dare attuazione al diritto ai trattamenti sanitari (art. 32 Cost.) entra anche la considerazione delle esigenze relative all'equilibrio della finanza pubblica. Non v'è dubbio che, se queste ultime esigenze, nel bilanciamento dei valori costituzionali operato dal legislatore, avessero un peso assolutamente preponderante, tale da comprimere il nucleo essenziale del diritto alla salute connesso all'inviolabile dignità della persona umana, ci si troverebbe di fronte a un esercizio macroscopicamente irragionevole della discrezionalità legislativa»<sup>45</sup>.

Infatti, il legame fra risorse e livelli essenziali è oggi identificato, in ogni caso, dalla stessa legge che prevede che «il Servizio sanitario nazionale assicura [...]i livelli essenziali e uniformi di assistenza definiti dal Piano sanitario nazionale nel rispetto dei principi della dignità della persona umana, del bisogno di salute, dell'equità nell'accesso all'assistenza, della qualità delle cure e della loro appropriatezza riguardo alle specifiche esigenze, nonché dell'economicità nell'impiego delle risorse»<sup>46</sup>. Tuttavia, anche tale nozione è frutto di un'evoluzione avvenuta nel tempo; infatti, anche se la legge del 1978 attribuiva al legislatore statale il compito di fissare «i livelli delle prestazioni sanitarie che devono essere, comunque, garantite a tutti i cittadini» (art. 3, comma 2), questa non arrivava a pretendere l'uniformità delle prestazioni, ma semplicemente l'indisponibilità (e, dunque, l'essenzialità) di alcune prestazioni sanitarie<sup>47</sup>. Tuttavia, una serie di riforme avvenute negli anni '90 (prime fra tutte, il D.lgs. 502/1992 e il D.lgs. 229/1999), e il contemporaneo riassetto organizzativo e passaggio alla gestione aziendalizzata del Sistema Sanitario Nazionale, hanno portato all'introduzione dell'idea di "livelli uniformi ed essenziali di assistenza", da assicurare su tutto il territorio nazionale, individuando i LEA come strumenti di garanzia e di controllo della spesa pubblica sanitaria. Inoltre, nel Piano Sanitario Nazionale 1998-2000, venivano esplicitamente identificati i livelli "essenziali" come le prestazioni «necessarie e appropriate, da garantire in modo uniforme all'intera collettività»<sup>48</sup>.

In questo senso, i livelli essenziali di prestazione (cd. LEP) e ai livelli essenziali di assistenza (LEA), concretizzerebbero dunque il contenuto minimo indisponibile del diritto alla salute<sup>49</sup>, e spetterebbe quindi al

---

*sentenze della Corte costituzionale nella recente riflessione dottrinale*, in AA. VV., *Scritti in memoria di Livio Paladin*, IV, Napoli, 2004, 1753.

<sup>43</sup> C. COLAPIETRO, M. RUOTOLO, *Diritti e libertà*, in F. MODUGNO (a cura di), *Lineamenti di Diritto pubblico*, II ed., Torino, 2010, 596.

<sup>44</sup> Corte cost., nn. 10 e 178 del 2015; E. FURNO, *La modulazione nel tempo delle decisioni della Corte costituzionale dopo la mancata riforma c.d. Renzi-Boschi: quali scenari?*, in *Rassegna parlamentare*, 4, 2016, 741 ss.; M. LUCIANI, *op. cit.*, 2016.

<sup>45</sup> Corte cost., 304/1994, punto 5 del considerato in diritto.

<sup>46</sup> Decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502, *Riordino della disciplina in materia sanitaria, a norma dell'articolo 1 della legge 23 ottobre 1992, n. 421*, e successive modificazioni.

<sup>47</sup> V. ANTONELLI, *La garanzia dei livelli essenziali di assistenza nei primi 40 anni del Servizio sanitario nazionale: dall'uniformità all'appropriatezza*, in *Federalismi*, 2018.

<sup>48</sup> V. ANTONELLI, *op. cit.*, 2018.

<sup>49</sup> Corte cost. 282/2002.

legislatore stabilire quale sia il livello essenziale da garantire<sup>50</sup>. Occorre quindi precisare che la determinazione di ciò che debba rientrare nei livelli essenziali costituisce dunque espressione della discrezionalità del legislatore, il quale opera secondo criteri di equità ma anche alla luce dei vincoli di bilancio e delle risorse disponibili. A tale riguardo, la Corte costituzionale, con la sentenza n. 192 del 2024 sul regionalismo differenziato, ha chiarito che una volta determinati, i LEA costituiscono il nucleo incompressibile del diritto alla salute, che deve essere necessariamente garantito e finanziato dallo Stato. Inoltre, «la deroga alla competenza legislativa delle Regioni, in favore di quella dello Stato, è ammessa solo nei limiti necessari ad evitare che, in parti del territorio nazionale, gli utenti debbano assoggettarsi ad un regime di assistenza sanitaria inferiore, per quantità e qualità, a quello ritenuto intangibile dallo Stato»<sup>51</sup>. Con la sentenza 275/2016, la Corte costituzionale ha infatti riconosciuto come il necessario bilanciamento fra diritto alla salute e i vincoli di spesa non possa intaccare il nucleo irriducibile del diritto, in quanto è infatti «la garanzia dei diritti incompressibili a incidere sul bilancio, e non l'equilibrio di questo a condizionarne la doverosa erogazione». Così, «mentre di regola la garanzia delle prestazioni sociali deve fare i conti con la disponibilità delle risorse pubbliche, dimensionando il livello delle prestazioni attraverso una ponderazione in termini di sostenibilità economica, tale ponderazione non può riguardare la dimensione finanziaria e attuativa dei LEA, la cui necessaria compatibilità con le risorse è già fissata attraverso la loro determinazione in sede normativa»<sup>52</sup>. Scendere sotto tali livelli, da non intendere come minimi ma per l'appunto essenziali, significa di fatto rendere irrisoria la prestazione sociale erogata. Secondo questa concezione, dunque, spetterebbe ai giudici costituzionali valutare, caso per caso, la legittimità delle misure legislative che limitano le politiche di *welfare*, effettuando un controllo di ragionevolezza e verificando il rispetto del contenuto minimo essenziale dei diritti sociali<sup>53</sup>. In sintesi, se il legislatore ha un ampio margine di discrezionalità politica, alla Corte costituzionale resta il potere di censurare eventuali scelte manifestamente irragionevoli, intendendo per tali quelle che ledano il nucleo essenziale e indefettibile dei diritti<sup>54</sup>. Tale impostazione ha però subito un'ulteriore evoluzione nella giurisprudenza più recente della Corte costituzionale, che ha superato il concetto di «nucleo essenziale» del diritto alla salute per introdurre quello di salute come «spesa costituzionalmente necessaria», a partire dalla sentenza n. 169 del 2017 e poi in successive,<sup>55</sup> fino alla sentenza n.195/2024. Antonini, infatti, commentando la sentenza 169/2017, enfatizza come nonostante l'art. 8 della legge 42/2009 prevedesse che le spese per i LEA fossero quantificate

<sup>50</sup> C. PINELLI, *Sui "livelli essenziali delle prestazioni concernenti i diritti civili e sociali"* (art. 117, co. 2, lett. m, Cost.), in *Diritto Pubblico*, 3, 2002, 895.

<sup>51</sup> Cort. Cost. 210/2017.

<sup>52</sup> Corte cost., 15 gennaio 2020, n. 62, punto 4.5 del considerato in diritto: «In definitiva, la trasversalità e la primazia della tutela sanitaria rispetto agli interessi sottesi ai conflitti finanziari tra Stato e Regioni in tema di finanziamento dei livelli essenziali, impongono una visione trascendente della garanzia dei LEA che vede collocata al centro della tutela costituzionale la persona umana, non solo nella sua individualità, ma anche nell'organizzazione delle comunità di appartenenza che caratterizza la socialità del servizio sanitario»

<sup>53</sup> E. FURNO, *Pareggio di bilancio e diritti sociali: la ridefinizione dei confini nella recente giurisprudenza costituzionale in tema di diritto all'istruzione dei disabili*, in *Nomos*, 2017; F. DI DONATO, *Crisi economica, sovranità statale e diritti sociali nell'era dell'austerità di bilancio e del neoliberalismo europeo*, in [www.osservatorioaic.it](http://www.osservatorioaic.it), 1, 2017, specie 25.

<sup>54</sup> Corte cost., sentenze nn. 88, 184, 243 del 1993 e 309 del 1999; A. LONGO, *Alcune riflessioni sui rapporti tra l'interpretazione conforme a diritto comunitario e l'utilizzo del canone di equilibrio finanziario da parte della Corte costituzionale*, in [www.giurcost.org.it](http://www.giurcost.org.it), 2012, specie 20; D. MONE, *La costituzionalizzazione del pareggio di bilancio ed il potenziale vulnus alla teoria dei controlimiti*, in [www.rivistaaic.it](http://www.rivistaaic.it), 3, 2014.

<sup>55</sup> Corte cost., nn. 220/2021; 197/2019; 87/2018.

tramite un sistema che legasse i costi standard ai LEA determinati dal legislatore statale, questo non sia mai accaduto; di conseguenza, la sentenza 169/2017 ha riconosciuto che la separazione tra il finanziamento delle prestazioni costituzionalmente necessarie (i LEA) e il finanziamento delle altre prestazioni è un vincolo che il legislatore statale e regionale non può ignorare, e che, al contrario, questa distinzione diventa essenziale nel momento in cui si adottano misure di riduzione della spesa, in quanto i LEA, una volta correttamente individuati, non possono subire riduzioni indistinte, e, pertanto, il legislatore è tenuto a corredare le decisioni che incidono sui LEA con una istruttoria finanziaria appropriata<sup>56</sup>. Inoltre, la nozione di «spesa costituzionalmente necessaria» sarebbe «funzionale a evidenziare che, in un contesto di risorse scarse, per fare fronte a esigenze di contenimento della spesa pubblica dettate anche da vincoli euro unitari, devono essere prioritariamente ridotte le altre spese indistinte, rispetto a quella che si connota come funzionale a garantire il «fondamentale» diritto alla salute di cui all'art. 32 Cost.»<sup>57</sup>. Secondo questo orientamento, dunque, non può ritenersi legittimo comprimere la spesa pubblica destinata alla tutela della sanità laddove risultino comunque disponibili risorse ulteriori per finalità di minore priorità;<sup>58</sup> questo non solo quando la salute viene qualificata come diritto fondamentale incompressibile, con riferimento, in particolare, alla nozione concretizzata LEA, ma anche, qualora si renda necessario intervenire con misure di contenimento della spesa pubblica, quando i tagli possano prioritariamente riguardare le risorse cosiddette indistinte, e non invece quelle destinate alla garanzia dei diritti incompressibili<sup>59</sup>. Il risultato di questo orientamento sarebbe quindi quello di spostare l'attenzione dalla tutela giuridica del «nucleo minimo» dei diritti alla necessità che le risorse destinate a tali diritti abbiano una «preferenza qualitativa» nella distribuzione del bilancio pubblico, rafforzando la tutela concreta del diritto alla salute a fronte dei tagli alle risorse, che dovrebbero quindi tenere conto della distinzione fra spese costituzionalmente necessarie e non. Tale visione sarebbe quindi in linea con l'esigenza di evidenziare le differenze strutturali tra diritti sociali e civili, ed evitare quindi la riduzione dei diritti sociali a meri diritti individuali, privi di valenza collettiva e sistemica<sup>60</sup>.

## 5. Il caso delle terapie avanzate

La spesa sanitaria, in quanto qualificata come costituzionalmente necessaria, assume nella giurisprudenza costituzionale un rilievo peculiare ai fini della valutazione della legittimità dei bilanciamenti compiuti dal legislatore; pur non attribuendole una priorità assoluta rispetto a ogni altra voce di spesa, tale qualificazione consente comunque di distinguerla dalle altre componenti del bilancio pubblico, in particolare da quelle non correlate alla garanzia di diritti di rango costituzionale<sup>61</sup>.

<sup>56</sup> L. ANTONINI, *Il diritto alla salute e la spesa costituzionalmente necessaria: la giurisprudenza costituzionale accende il faro della Corte*, in *Federalismi*, 2017.

<sup>57</sup> Corte cost. n. 195/2024.

<sup>58</sup> A. BORGHI, *Corte Costituzionale - sent. 195/2024: legge di bilancio e diritto alla salute*, in *Biodiritto*, 2024.

<sup>59</sup> C. ZOCCHETTI, *Diritto alla salute vs risorse: i nuovi indirizzi della corte costituzionale*, in *Epidemiologia e Prevenzione*, 2025.

<sup>60</sup> A. GUAZZAROTTI, *op. cit.*, 2024.

<sup>61</sup> L. ANTONINI, *Il diritto alla salute e la "spesa costituzionalmente necessaria"*, in *Recenti progressi in medicina*, 2023, 114, 10.

Rimane quindi da chiedersi come questo principio possa applicarsi al caso delle terapie avanzate<sup>62</sup>, terapie fortemente innovative, cosiddette trasformative<sup>63</sup>, cioè in grado di trasformare la storia naturale di una patologia, e di offrire soluzioni *one-shot* paziente-specifiche o per nicchie di pazienti, con grandi benefici dal punto di vista clinico e terapeutico<sup>64</sup>. Queste terapie offrono, quindi, nuove prospettive di guarigione ai pazienti affetti da patologie che, sino ad ora, erano prive di una soluzione terapeutica.<sup>65</sup> Tuttavia, i trattamenti di terapia avanzata, per le loro specifiche caratteristiche, richiedono un lungo e più complesso processo di preparazione rispetto a quello dei farmaci tradizionali:<sup>66</sup> si tratta, infatti, di prodotti medicinali biologici, composti da geni che producono un effetto terapeutico, profilattico o diagnostico, e consistono nell'inserimento di DNA cosiddetto "ricombinante" nel corpo. Questi medicinali sono quindi costituiti dalle stesse cellule dei pazienti, che vengono prelevate in ospedale e successivamente ingegnerizzate in laboratorio<sup>67</sup>. L'innovatività di tali terapie implica inevitabilmente costi estremamente elevati, con la conseguenza che ingenti risorse economiche vengono destinate al trattamento di un numero limitato di pazienti affetti da malattie rare, sottraendole potenzialmente ad altri ambiti di intervento sanitario, ove potrebbero essere utilizzate per garantire cure a una platea più ampia a parità di investimento.

In Europa, l'autorizzazione all'immissione in commercio delle ATMPs avviene obbligatoriamente attraverso la procedura centralizzata di autorizzazione all'immissione in commercio. Sebbene l'iter e la tempistica della valutazione tecnico-scientifica della documentazione presentata dalle aziende farmaceutiche restino gli stessi dei farmaci più tradizionali, al ruolo del Comitato per i Medicinali per uso umano (*Committee for Medicinal Products for Human Use*, CHMP) si affianca quello del Comitato per le terapie avanzate (*Committee for Advanced Therapies*, CAT), costituito in seno all'*European Medicines Agency* (EMA), per valutarne la complessità grazie a competenze specifiche sul tema. Il CAT è dunque un comitato multidisciplinare che riunisce vari esperti europei nel settore delle terapie avanzate, e oltre a essere composto da rappresentanti di ciascuno Stato Membro, vede anche al proprio interno alcuni membri del CHMP e rappresentanti della professione medica e delle associazioni di pazienti con esperienza nel settore. Dopo l'autorizzazione europea, AIFA svolge l'iter nazionale per l'effettiva immissione in commercio in Italia, occupandosi di aspetti come la rimborsabilità, il prezzo e la regolazione specifica del mercato italiano.

<sup>62</sup> M. ABOU-EL-EINEIN, A. ELSANHOURY, P. REINKE, *Overcoming challenges facing advanced therapies in the EU market*, in *Cell Stem Cell*, 19 (3), 2016, 293–297.

<sup>63</sup> Così come definite dal Regolamento (CE) n. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio, 13 novembre 2007; Regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio, 31 marzo 2004, in G.U. n. L 136 del 30/04/2004, 1–3.

<sup>64</sup> J. T. COHEN, J. D. CHAMBERS, M. C. SILVER, P. J. LIN, P. J. NEUMANN, *Putting The Costs And Benefits Of New Gene Therapies Into Perspective*, *Health Affairs Blog*, 2019, <https://www.healthaffairs.org/content/forefront/putting-costs-and-benefits-new-gene-therapies-into-perspective>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>65</sup> ALLIANCE FOR REGENERATIVE MEDICINE, *Getting ready: recommendations for timely access to advanced therapy medicinal products (ATMPs) in Europe*, 2019, <https://alliancerm.org/sector-report/market-access-report/>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>66</sup> M. CIARAMETARO, G. LONG, M. JOHNSON, N. KIRSON, R. W. DUBOIS, *Are Payers Ready To Address The Financial Challenges Associated With Gene Therapy?*, *Health Affairs Blog*, 2018, <https://www.analysisgroup.com/Insights/publishing/are-payers-ready-to-address-the-financial-challenges-associated-with-gene-therapy/>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>67</sup> AIFA, *Le terapie avanzate*, disponibile online su [aifa.it](http://aifa.it), ultima consultazione 15/05/25.

In Italia, il primo farmaco di terapia avanzata ha fatto il suo ingresso nel 2016, aprendo la strada all'immissione dei successivi<sup>68</sup>:

ATMP	Classificazione	Prezzo <i>ex fac-tory</i> (IVA esclusa)	Data Gazzetta Ufficiale	Modalità di rimborso
Strimvelis	Terapia genica	594.000,00 €	01/08/16	Payment by result
Holoclax	Ingegneria tessutale	95.000,00 €	24/02/17	Payment by result
Kymriah	Terapia genica (CAR-T)	320.000,00 €	12/08/19	Payment at result (sconto obbligatorio)
Yescarta	Terapia genica (CAR-T)	327.000,00 €	11/11/19	Payment at result (sconto obbligatorio)
Luxturna	Terapia genica	360.000,00 €	09/01/21	Budget cap
Zolgensma	Terapia genica	2.155.124,65 €	13/03/21	Payment at result – annuale per 5 anni
Tecartus	Terapia genica (CAR-T)	360.000,00 €	11/03/22	Sconto obbligatorio
Libmeldy	Terapia genica	2.875.000,00 €	07/04/22	Sconto obbligatorio
Upstaza	Terapia genica	3.500.000,00 €	20/11/23	Sconto obbligatorio
Roctavian	Terapia genica	100.313,38 €	15/01/24	Sconto obbligatorio
Abecma	Terapia genica (CAR-T)	350.000,00 €	29/01/24	Sconto obbligatorio
Breyanzi	Terapia genica (CAR-T)	345.000,00 €	29/01/24	Sconto obbligatorio
Ebvallo	Terapia cellulare	75.000,00 €	28/02/25	Budget cap
Hemgenix	Terapia genica	/	29/07/25	/

Come si vede, le modalità di rimborso di queste costose terapie sono molteplici e si esplicitano attraverso una diversità di meccanismi operativi. Inizialmente, si optò per il *payment by result*, che comporta quindi che il rimborso sia subordinato al raggiungimento di risultati clinici predefiniti, e dunque che l'azienda venga rimborsata solo se il paziente risponde positivamente alla terapia entro un certo periodo. Successivamente si introdusse il *payment at result*, spesso con uno sconto obbligatorio già previsto, per cui il rimborso non viene annullato in caso di fallimento della terapia, ma il prezzo pagato è già ridotto rispetto al listino. Il caso di Zolgensma è poi estremamente particolare perché, a causa del costo superiore ai 2 milioni di euro, si prevede che il prezzo totale sia scaglionato su 5 anni e ogni rata annuale sia pagata solo se il paziente continua a rispondere positivamente. Questo metodo permette quindi di diluire nel tempo l'impatto economico e pagare solo se il trattamento continua ad essere efficace. Nei casi di *budget cap*, infine, viene stabilito un tetto massimo di spesa per il farmaco e se i costi totali per l'uso del farmaco

<sup>68</sup> OSSERVATORIO TERAPIE AVANZATE, *Lista ATMP rimborsate in Italia a luglio 2025*, disponibile online, <https://www.osservatorioterapieavanzate.it/terapie-approvate>, (ultima consultazione 09/09/25).



superano un certo limite (es. in base al numero di pazienti trattati), l'eccedenza è a carico dell'azienda farmaceutica.

In questo quadro, va ribadito come il riconoscimento della salute quale diritto incompressibile e la qualificazione della spesa sanitaria per le prestazioni essenziali come costituzionalmente necessaria, come precedentemente discusso, non possono comunque essere intesi come un lasciapassare indiscriminato per qualsiasi voce di spesa nel settore sanitario<sup>69</sup>. La già citata sentenza 190/2022 si colloca perfettamente in linea con questa visione, dal momento che chiarisce che la disposizione della regione Sicilia che autorizzava prestazioni sanitarie aggiuntive, inclusa la somministrazione di Zolgensma a una platea più ampia di pazienti di quella garantita dalla copertura statale, si poneva in violazione agli articoli 81 e 117 della Costituzione e alle disposizioni di legge che attribuiscono ad AIFA la competenza in materia di rimborsabilità dei farmaci<sup>70</sup>. Infatti, come già discusso, la possibilità per Regioni in piano di rientro dal dissesto finanziario di fare spese extra LEA è estremamente limitata, in quanto anche se il coordinamento della finanza pubblica è subordinato alla tutela del diritto fondamentale alla salute, deve essere comunque garantito il rispetto delle regole di sostenibilità economica; quindi, se la somministrazione di una terapia avanzata non è compresa nei LEA, essa rimane fuori dall'ambito costituzionalmente protetto. Inoltre, in questo caso la Corte costituzionale ha ulteriormente puntualizzato che «un intervento sul merito delle scelte terapeutiche in relazione alla loro appropriatezza non potrebbe nascere da valutazioni di pura discrezionalità politica dello stesso legislatore, bensì dovrebbe prevedere l'elaborazione di indirizzi fondati sulla verifica dello stato delle conoscenze scientifiche e delle evidenze sperimentali acquisite, tramite istituzioni e organismi – di norma nazionali o sovranazionali – a ciò deputati»<sup>71</sup> ribadendo, dunque, il ruolo fondamentale di AIFA a livello italiano e di EMA a livello europeo. Infatti, se la disciplina della spesa sanitaria rientra certamente nelle competenze del legislatore, il potere politico non può comunque sostituirsi alla comunità scientifica nel valutare l'efficacia e l'appropriatezza delle terapie, ancor più in casi in cui i farmaci abbiano natura così peculiare, come accade per le terapie avanzate. È quindi compito di EMA intervenire principalmente sul piano tecnico-scientifico e regolatorio, garantendo trasparenza e standard di qualità nelle procedure di autorizzazione, mentre ad AIFA spetta di negoziare attivamente il prezzo e le condizioni di rimborso con le aziende farmaceutiche per assicurare il contemperamento tra diritto alla salute e sostenibilità del sistema sanitario nazionale.

## 6. Considerazioni di bioetica

Il tema dell'accesso alle terapie avanzate solleva interrogativi bioetici complessi, che richiedono di tenere in considerazione più aspetti; da una parte, la gravità della malattia che queste terapie hanno la possibilità di curare e dei suoi sintomi, che spesso conducono alla morte, l'assenza di terapie alternative efficaci nella cura del paziente e il diritto delle persone a beneficiare del progresso scientifico; dall'altro, gli elevatissimi costi e il limite di risorse finanziarie.

<sup>69</sup> L. ANTONINI, S. ZAMAGNI, *Pensare la sanità. Terapie per la sanità malata*, 2025.

<sup>70</sup> F. SEVERA, *Scheda Sentenza 190/2022*, in *Nomos*, 2022.

<sup>71</sup> Corte cost. 190/2022.

Ad oggi, il numero di terapie avanzate presenti nel mercato europeo è ancora contenuto<sup>72</sup>, ma si stima che entro il 2030 potrebbero essere immesse nel mercato fino a 60 nuove terapie geniche e cellulari a livello globale, che potrebbero riguardare complessivamente circa 350.000 pazienti (circa 50.000 pazienti ogni anno)<sup>73</sup>. Ad aprile 2025, l'AIFA ha pubblicato il suo nuovo dossier Horizon Scanning 2025<sup>74</sup>, e, considerate le richieste di autorizzazione all'immissione in commercio arrivate all'ente regolatorio europeo, ha evidenziato come si attenda il parere per nove terapie avanzate. Tali numeri avranno sicuramente un impatto molto forte sulla spesa dello Stato, rischiando di non essere sostenibili e, quindi, di causare la negazione del diritto alla salute (tramite un non accesso alle cure) per svariati pazienti italiani ed europei. L'urgenza di trovare una soluzione alla spesa per le terapie avanzate è sentita a livello europeo anche a causa di vari casi di fallimento del sistema attuale, a partire da quello riguardante la terapia Strimvelis. Tale terapia fu approvata in Europa nel 2016, e aveva già salvato la vita a oltre 40 bambini da tutto il mondo, quando, nel 2022, per motivi di sostenibilità economica, l'azienda annunciò di dover ritirare gli investimenti, non potendosi più permettere di rendere disponibile la terapia ai pazienti europei. È quindi intervenuta Fondazione Telethon, la quale ha deciso di farsi carico dei costi necessari per salvare il farmaco e poter quindi continuare a curare i pazienti per il quale fosse appropriato<sup>75</sup>. Già nel 2021, tuttavia, anche l'azienda Bluebird Bio aveva deciso di ritirare dal mercato europeo le terapie geniche per la beta talassemia e l'adrenoleucodistrofia, già approvate dall'EMA, a causa di mancati accordi su prezzo e modalità di rimborso con i Paesi europei. Tale situazione ha quindi fatto sì che l'azienda decidesse di rendere disponibile il farmaco solo sul suolo americano, rendendolo di fatto inaccessibile ai pazienti europei<sup>76</sup>. Tali vicende, che trascendono i confini nazionali e coinvolgono l'Unione nel suo complesso, sollevano interrogativi di natura più ampia rispetto alla sola dialettica tra diritto alla salute e vincoli di bilancio ex art. 81 Cost., richiedendo piuttosto una riflessione strutturale sulla governance economica e sulla capacità dell'ordinamento europeo di garantire un accesso equo e duraturo all'innovazione terapeutica. Dal punto di vista della bioetica, il caso delle terapie avanzate porta a dover considerare in primo luogo il principio di giustizia distributiva, che impone che le risorse sanitarie siano allocate in modo equo, con attenzione alla riduzione delle disuguaglianze evitabili<sup>77</sup>. Se, infatti, una terapia avanzata è resa disponibile, ma resta di fatto inaccessibile al paziente per barriere economiche o regolatorie, si determina una discriminazione fra chi riesce a beneficiarne e chi no. Tale dinamica entra dunque in tensione con gli artt. 3 e 32 della Costituzione italiana, e sarebbe dovere del legislatore agire affinché tali situazioni non si verifichino. In prospettiva sistemica, inoltre, si pone il problema dell'effettività del diritto a beneficiare del

<sup>72</sup> M. GABALDO, *Come spianare la strada alle terapie avanzate*, in *Nature*, 2021.

<sup>73</sup> C. QUINN, C. YOUNG, J. THOMAS, M. TRUSHEIM, *Estimating the Clinical Pipeline of Cell and Gene Therapies and Their Potential Economic Impact on the US Healthcare System*, MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group, Massachusetts Institute of Technology, Cambridge (USA), 2019, <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.03.014>.

<sup>74</sup> AIFA, *Horizon Scanning. Anno 2025*, Roma, 2025, <https://www.aifa.gov.it/en/horizon-scanning>.

<sup>75</sup> REDAZIONE ABOUTPHARMA, *Telethon rileva da Otl la commercializzazione di Strimvelis per evitare il ritiro dal mercato e fa appello alle istituzioni*, Aboutpharma, 2022, <https://www.aboutpharma.com/sanita-e-politica/telethon-rileva-da-otl-la-commercializzazione-di-stirimvelis-per-evitare-il-ritiro-dal-mercato-e-fa-appello-alle-istituzioni/>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>76</sup> REDAZIONE PHARMASTAR, *Bluebird bio ritira un'altra terapia genica e lascia l'Europa*, Pharmastar, 2021, <https://www.pharmastar.it/news/business/bluebird-bio-ritira-unaltra-terapia-genica-e-lascia-leuropa-36683>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>77</sup> N. DANIELS, *Justice, Health, and Healthcare*, in *The American Journal of Bioethics*, 1(2), 2021, 2-16.

progresso scientifico e tecnologico, come sancito dall'art. 15 del Patto internazionale sui diritti economici, sociali e culturali, e riconosciuto anche nella Dichiarazione Universale sulla Bioetica e i Diritti Umani dell'UNESCO (2005).

Sulla stessa linea, il principio di non maleficenza, inteso come obbligo di non arrecare danno anche tramite omissione<sup>78</sup>, si potrebbe dire violato quando una cura viene negata causando dunque un danno evitabile ai pazienti esclusi da terapie salvavita. Allo stesso tempo, però, tale principio viene messo in discussione quando il sistema sanitario non è in grado di garantire l'accesso alle terapie per ragioni economiche o regolatorie. Il citato Rapporto Horizon Scanning AIFA 2025 sottolinea infatti come la crescente disponibilità di terapie avanzate imponga una riflessione su sostenibilità, equità e accesso, soprattutto per i pazienti pediatrici e con malattie rare<sup>79</sup>. In effetti, destinare maggiori risorse economiche alle terapie avanzate, al fine di garantire l'accesso a tali trattamenti ad alto costo per una parte della popolazione, potrebbe comportare una riduzione delle risorse disponibili per altri gruppi di pazienti. Ne deriverebbe, in termini sistemici, il rischio concreto di compromettere l'erogazione di cure efficaci a un numero potenzialmente maggiore di individui.

Infine, in questo scenario va considerata anche la dimensione dell'autonomia individuale, che risulta compromessa quando pazienti e famiglie, spesso in condizioni di vulnerabilità economica e informativa, sono costretti a ricorrere a circuiti alternativi, come campagne di crowdfunding o ricorsi giudiziari, per potersi permettere l'accesso alle terapie avanzate. L'autonomia, per essere effettiva, richiede infatti condizioni di scelta reale e non meramente formale, che presuppongono un adeguato accesso alle cure.

Numerosi interrogativi rimangono dunque aperti sul piano della bioetica, imponendo una riflessione profonda sui criteri di giustizia distributiva che dovrebbero guidare l'allocazione delle risorse sanitarie in contesti di scarsità. In particolare, ci si chiede se sia eticamente accettabile negare l'accesso a una terapia potenzialmente salvavita per motivi puramente economici, o se, al contrario, tale scelta costituisca una violazione del principio di equità e del diritto alla salute, riconosciuto come fondamentale nella maggior parte degli ordinamenti democratici. La tensione fra il principio di massimizzazione dell'utilità, che suggerisce di allocare risorse laddove si possano ottenere i maggiori benefici collettivi, e il principio di tutela dei più vulnerabili, che impone di garantire anche a pochi soggetti l'accesso a cure essenziali, indipendentemente dal costo, è dunque al centro del dibattito bioetico contemporaneo. Le terapie avanzate, spesso rivolte a malattie rare o ultra-rare, esacerbano questa tensione. La soluzione di questa diatriba impone dunque un bilanciamento eticamente e giuridicamente complesso, che chiama in causa il concetto di "priorità etiche", l'identificazione di un "nucleo essenziale" dei diritti sociali non comprimibili, e la necessità di trasparenza nei criteri decisionali, come quelli adottati dalla sentenza 190/2022.

Ampliando la prospettiva, e con uno sguardo sul futuro, si evidenzia come oggi tra i fattori potenzialmente d'ostacolo all'entrata nel mercato per i medicinali per terapie avanzate figurino innanzitutto i sistemi di valutazione da parte delle Agenzie Regolatorie nazionali, attualmente riconducibili a quelli dei farmaci tradizionali<sup>80</sup>. Manca ancora, infatti, un quadro regolatorio di riferimento differenziato per le Terapie

<sup>78</sup> G. PERSAD, A. WERTHEIMER, E. J. EMANUEL, *Principles for allocation of scarce medical interventions*, in *The Lancet*, 373(9661), 2019, 423–431.

<sup>79</sup> AIFA, Rapporto "Horizon Scanning" AIFA 2025, 2025.

<sup>80</sup> S. MICHELSEN, S. NACHI, W. VAN DYCK, S. SIMOENS, I. HUYS, *Barriers and Opportunities for Implementation of Outcome-Based Spread Payments for High-Cost, One-Shot Curative Therapies*, in *Front. Pharmacol.*, 2020.

Avanzate<sup>81</sup>. Un secondo problema è rappresentato dall'insufficienza degli schemi tradizionali di rimborso<sup>82</sup> e del budget per la copertura dei costi dei nuovi farmaci, che mette a rischio la disponibilità stessa delle nuove terapie per i pazienti in Italia<sup>83</sup>. Infatti, l'elevato costo di queste terapie<sup>84</sup> comporta la minore disponibilità da parte dei sistemi sanitari dei singoli Paesi a sostenerlo, e un conseguente ritardo nell'accesso alla terapia o una restrizione della rimborsabilità a sottogruppi di pazienti all'interno dell'indicazione approvata<sup>85</sup>. Tuttavia, andrebbero considerati anche i potenziali risparmi diretti e indiretti che deriverebbero per lo Stato nel caso in cui la terapia fosse prontamente somministrata ai pazienti<sup>86</sup>. Dunque, poiché la valutazione delle nuove tecnologie terapeutiche costituisce un processo intrinsecamente complesso, si rende fondamentale garantire un accesso trasparente ai dati concernenti costi, efficacia clinica e potenziali risparmi, affinché si possa condurre una valutazione completa del prezzo che rispetti criteri di appropriatezza e sostenibilità<sup>87</sup>. Da ultimo, occorre aprire una riflessione più ampia sul ruolo della ricerca pubblica: un maggior investimento pubblico nella ricerca biomedica e nelle tecnologie avanzate potrebbe infatti rendere più sostenibile l'accesso ai farmaci innovativi<sup>88</sup>.

Tali questioni, infatti, non sono tuttavia soltanto economico-regolatorie, ma assumono anche un rilievo bioetico. La sostenibilità finanziaria e i meccanismi di rimborso incidono direttamente sulla giustizia distributiva e sull'equità di accesso, ponendo il rischio di discriminazioni sistemiche tra pazienti in base alla disponibilità economica dei sistemi sanitari nazionali. In questo senso, la trasparenza nei processi di valutazione e un adeguato investimento pubblico non rappresentano soltanto strumenti tecnici di governance, ma rispondono a un preciso imperativo etico: garantire che l'innovazione biomedica non rimanga privilegio di pochi, ma sia effettivamente accessibile a tutti coloro che ne hanno bisogno. A ciò deve affiancarsi un impegno delle imprese farmaceutiche a cooperare in buona fede con le autorità pubbliche nelle fasi di negoziazione, contribuendo alla definizione di condizioni che rendano possibile l'accesso alle terapie innovative senza compromettere la sostenibilità dei sistemi sanitari.

## 7. Conclusioni

Dall'analisi condotta, è emerso come vi siano due tendenze da prendere in considerazione: da una parte, quella dell'innovazione tecnologica e della scoperta di nuove terapie, sempre più complesse, efficaci ma,

<sup>81</sup> G. CASADEI, *Terapia genetica e sostenibilità: programmare un cambio di paradigma*, in *Ricerca e Pratica*, 34, 2018, 76–79.

<sup>82</sup> J.F. BARLOW, M. YANG, J. R. TEAGARDEN, *Are Payers Ready, Willing, and Able to Provide Access to New Durable Gene Therapies?*, in *Value Health*, 22 giugno 2019.

<sup>83</sup> M. MARÈ, *I conti e la Sanità. Ci mancano attrezzi per investire*, in *L'Economia*, 2020.

<sup>84</sup> D.R. CARR, S. E. BRADSHAW, *Gene therapies: the challenge of super-high-cost treatments and how to pay for them*, in *Regen. Med.*, 11 (4), 2016, 381–393.

<sup>85</sup> R. SALZMAN, F. COOK, T. HUNT, H. L. MALECH, P. REILLY, B. FOSS-CAMPBELL, D. BARRETT, *Addressing the Value of Gene Therapy and Enhancing Patient Access to Transformative Treatments*, in *Mol. Ther.*, 2018.

<sup>86</sup> R. MAZZARACCA, *Terapie geniche per malattie rare: la sfida è la sostenibilità*, in *Osservatorio Terapie Avanzate*, 2022, <https://www.osservatorioterapieavanzate.it/regolatorio/terapie-geniche-per-malattie-rare-la-sfida-e-la-sostenibilita>, (ultima consultazione 15/05/25).

<sup>87</sup> Uniamo, *Accesso alle terapie, anche avanzate e innovative*, in *le effemeridi di Uniamo*, 6, 2022.

<sup>88</sup> M. GABALDO, *Come spianare la strada alle terapie avanzate*, in *Nature Italy*, 2021.



spesso, costose; dall'altra, quella della difficoltà dei sistemi sanitari nazionali ad assicurare l'accesso a tali innovazioni.

Nella fase di negoziazione fra stato e aziende, la ridotta disponibilità di spesa del pagatore, che vede le sue risorse scarseggiare sempre di più, e il crescente costo delle nuove tecnologie, creano una situazione di tensione. Tuttavia, come emerso dall'analisi effettuata, da un'attenta lettura della Carta costituzionale risulta evidente che la formulazione dell'art. 81 impone profonde riflessioni di carattere di sostenibilità economica, da bilanciare con il primato dell'art. 32 e dell'art. 3, che richiedono che il legislatore renda effettivo e concreto l'esercizio dei diritti sociali. Dunque, per ogni innovazione sanitaria, sarà necessario chiedersi se questa corrisponda a una spesa costituzionalmente necessaria per garantire la prestazione del diritto alla salute, oppure se si tratti di una sua estensione sacrificabile in caso di scarsità di risorse o momenti di significativa contrazione delle risorse pubbliche. Tale riflessione appare sicuramente complessa nel caso delle terapie avanzate, che devono tenere conto della gravità della malattia e dei suoi sintomi, dell'assenza di terapie alternative efficaci nella cura del paziente, e degli elevatissimi costi. Si sollevano, dunque, non solo questioni di bilanciamento costituzionale, ma anche ulteriori problemi di etica, che vedono come protagonista proprio il rapporto fra scarsità di risorse e la necessità di scegliere a chi indirizzarle.

In ogni caso, nonostante le richieste delle associazioni pazienti aumentino, e le aziende siano pronte a presentare al mercato un numero sempre più elevato di terapie avanzate, la questione non appare di semplice risoluzione, proprio per l'inadeguatezza del sistema corrente, che penalizza farmaci come le terapie avanzate che richiedono un esoso pagamento immediato a fronte di benefici sul lungo termine, e per la scarsità di dati e real world evidence atti a testimoniarne in modo chiaro non solo il recupero dei costi diretti dell'assistenza sanitaria che sarebbe stata necessaria nel corso della vita del paziente, ma anche di quelli indiretti legati al suo essere o non essere in salute e abile al lavoro, con forti ripercussioni anche sulle attività dei suoi familiari e dei suoi caregivers. È dunque necessario chiedersi quali nuovi modelli possano essere trovati per venire incontro alle innovazioni e rispettare il diritto alla salute dei cittadini, nonché quello di accesso all'innovazione terapeutica. Tale cambio di approccio sarà possibile solo modificando sensibilmente il paradigma di base, e iniziando a considerare la sanità come un investimento, e non come una spesa. Solo con una visione olistica della sanità, dunque, si potrà puntare a creare una filiera sostenibile economicamente, con il risultato di poter garantire un più ampio accesso alle cure a tutti i pazienti eleggibili, in coerenza con il dettame costituzionale, e realizzando così, nel concreto, gli artt. 3 e 32 Cost., rispettando, al contempo, l'art. 81 Cost.